

ゲノム編集とデジタル技術でミライを拓く

奥原 啓輔

プラチナバイオ株式会社 代表取締役CEO

広島大学ゲノム編集イノベーションセンター 客員教授

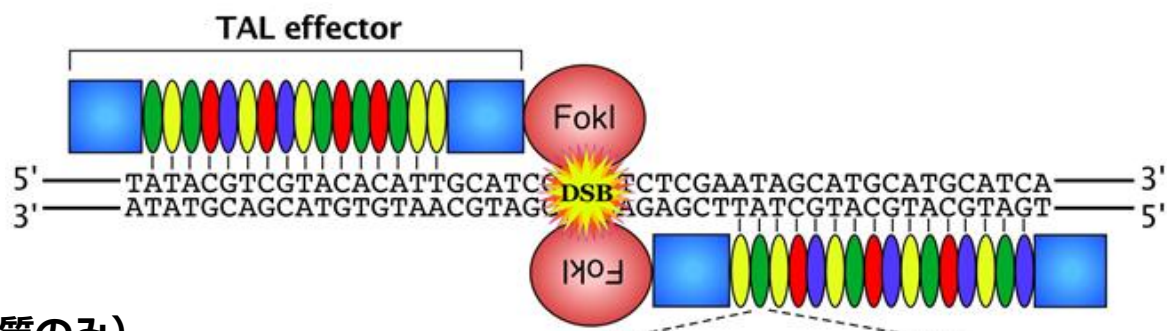
ゲノム編集とは

① ZFN 1996~ (30kDa)

② TALEN 2010~ (80~100kDa)

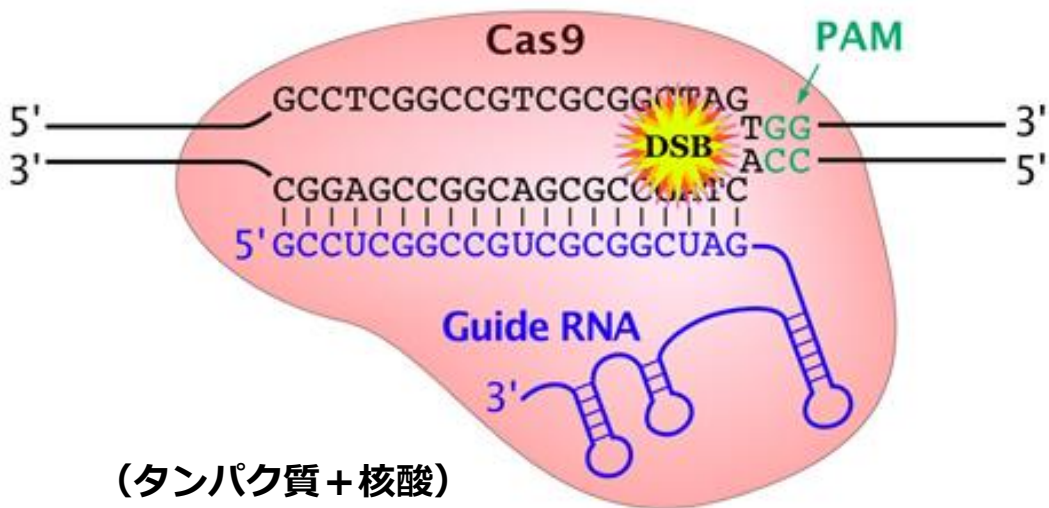


(タンパク質のみ)



LTPDQVVAIASNIGGKQALETVQRLLPVLCQDHG
 repeat variable di-residue (RVD)
 NI→A NN→G HD→C NG→T

③ CRISPR-Cas9 2012~ (140kDa)



(タンパク質+核酸)

生物が持つゲノムの中の、特定のDNA配列を「狙って変化させる」技術

「ゲノム編集」を取り巻く環境



○成長が見込まれるバイオ産業

- ・ 2030年までにOECD加盟国の全GDPの2.7% (約180兆円) の巨大市場へ成長が見込まれる。

○バイオ産業に革命を起こす「ゲノム編集」

- ・ 米国発の「CRISPR-Cas9」が世界を席卷

○進まない産業利用

- ・ 「CRISPR-Cas9」の知財紛争が事業化の障壁に
- ・ 我が国のバイオ産業は危機的状況



我が国のバイオ産業で世界と戦うためには、

- ・ 産業利用しやすい最先端ゲノム編集技術
- ・ 大学発ベンチャーによる素早い社会実装が必要不可欠



山本 卓

(広島大学大学院統合生命科学研究科 教授/
ゲノム編集イノベーションセンター長)

○ゲノム編集のトップランナーがコミット

- ・日本ゲノム編集学会 会長
- ・Nature Biotechnology
「ゲノム編集の論文数ランキング」世界2位

○独自のゲノム編集技術

- ・産業利用に最適なツール
「Platinum TALEN」「FirmCut nuclease ND1」

○最先端のデジタル技術

- ・ゲノム編集研究を加速するAIデータベース
「Genome Editing Cloud™」



一般社団法人
日本ゲノム編集学会
The Japanese Society for Genome Editing

JST産学共創プラットフォーム共同研究推進プログラム(OPERA)

バイオ素材・エネルギー産出

植物や動物の品種改良

医薬品開発用の細胞やモデル動物作製

国産ゲノム編集ツールの開発

ゲノム編集をめぐる社会動向調査



【民間企業：24社】

「ゲノム編集」産学共創コンソーシアム

【大学等：10機関】



広島大学を中心にオールジャパンの産学共創を推進

一般社団法人
日本ゲノム編集学会
The Japanese Society for Genome Editing

 広島大学発ベンチャー



会社名：プラチナバイオ株式会社
(PtBio Inc.)
所在地：〒739-0046
広島県東広島市鏡山3-10-23
設立日：2019年8月30日
資本金：1,362万円
役員：代表取締役 CEO 奥原 啓輔
取締役 CTO 山本 卓
従業員：10名

2016年12月

JST産学共創プラットフォーム共同研究推進プログラム
(OPERA) 採択

2018年7月

JST社会還元加速プログラム (SCORE) 採択

2018年12月

第25回ひろしまベンチャー助成金
ひろしまベンチャー育成賞(個人) 金賞

2019年6月

広島県チャレンジ企業セミナー@Camps 登壇

2019年8月30日 (冒険家の日)

会社設立

2020年1月

NEDO「AIを活用したゲノム編集データベースの開発」採択

2020年12月

JST共創の場形成支援プログラム (COI-NEXT) 採択

2021年3月

広島大学・広島県内大学発ベンチャー支援投資事業有限責任
組合からシード投資

主要メンバーの紹介



代表取締役CEO
奥原 啓輔

- 科学技術振興機構（JST）、内閣官房、東広島市を経て、広島大学へ
- 山本卓と共にJST-OPERA「ゲノム編集」産学共創コンソーシアムを構築・運営
- 文部科学省EDGEプログラム、JST社会還元加速プログラム（SCORE）、東京都Blockbuster TOKYOを通じて起業



取締役CTO
山本 卓

- 日本のゲノム編集研究のトップランナーとして2016年4月、日本ゲノム編集学会を設立し会長に就任
- JST-OPERA「ゲノム編集」産学共創コンソーシアムの領域統括として、オールジャパン体制で研究開発を推進
- 文部科学省卓越大学院プログラムにより、ゲノム編集先端人材育成にも取り組む



科学技術顧問
坊農 秀雅

- 広島大学 大学院統合生命科学研究科 特任教授／ライフサイエンス統合データベースセンター（DBCLS）客員教授
- ゲノム情報解析に必要な不可欠なデジタル技術を駆使するバイオインフォマティクスのトップランナー。



科学技術顧問
佐久間 哲史

- 広島大学 大学院統合生命科学研究科 准教授
- 山本卓教授の元で一貫してゲノム編集の技術開発に携わり、高活性型プラチナTALENの開発、新規遺伝子ノックイン法（PITCh法）の開発、マルチガイドCRISPRシステムの開発などに尽力。

01

ゲノム編集

産業利用に最適なゲノム編集ツール「Platinum TALEN」を提供し、新たな価値を実現する革新的な製品・サービスを共同開発します。

02

デジタル技術

NEDOプロジェクトで開発するゲノム編集データベースを提供します。

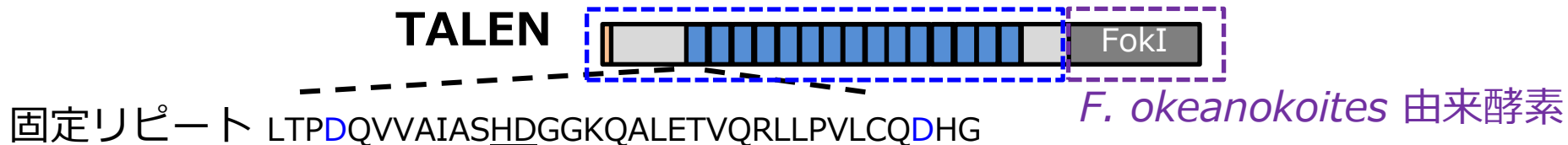
RNA-SeqなどNGS解析から機能アノテーションワークフローを開発します。

03

コンサルティング

ゲノム編集の社会実装に必要な安全性評価の他、研究開発戦略・知財戦略・規制・ELSIに関するコンサルティングを提供します。

最先端のゲノム編集技術



各パーツの高性能化

DNA結合ドメイン (特許第5931022号)

Platinum TALEN



LTPDQVVVAIASHDGGKQALETVQRLLPVLCQDHG
LTP**E**QVVVAIASHDGGKQALETVQRLLPVLCQ**A**HG
LTP**D**QVVVAIASHDGGKQALETVQRLLPVLCQ**A**HG
LTP**A**QVVVAIASHDGGKQALETVQRLLPVLCQ**D**HG

- 周期的リピートにより接合力増大
【高い結合活性】

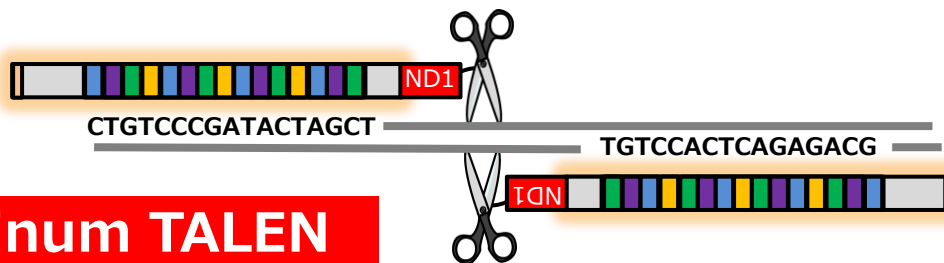
DNA切断ドメイン(特許第6892721号)

FirmCut nuclease ND1






- タンパク質のみで変異導入が可能
- タンパク合成・精製が容易
- FokIよりも高活性
【高い切断活性と機能性】

NEDO
展示No.5

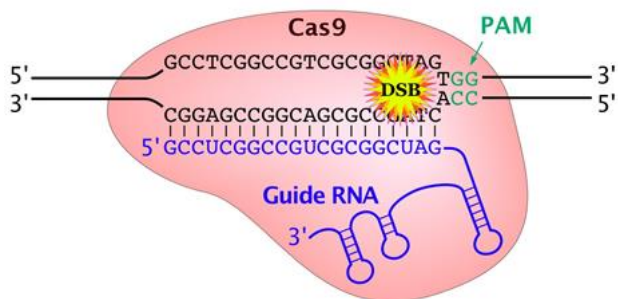


FirmCut Platinum TALEN

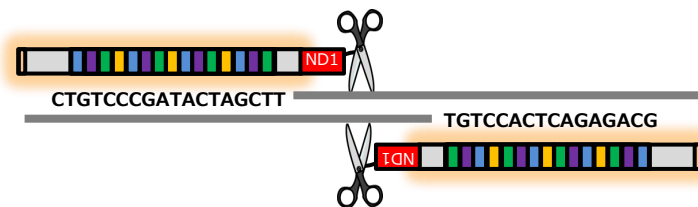
CRISPR-Cas9との比較

	CRISPR-Cas9	FirmCut Platinum TALEN
作り易さ (操作性)	◎	○
正確さ (安全性)	オフターゲット大 △	◎
規制対応 (事業性)	△	◎ タンパク性 ・水溶性
知財 ホルダー	 Berkeley UNIVERSITY OF CALIFORNIA  BROAD INSTITUTE VS 知財紛争中	 PtBio

事業化リスク大
(Pain)



事業化用途に最適

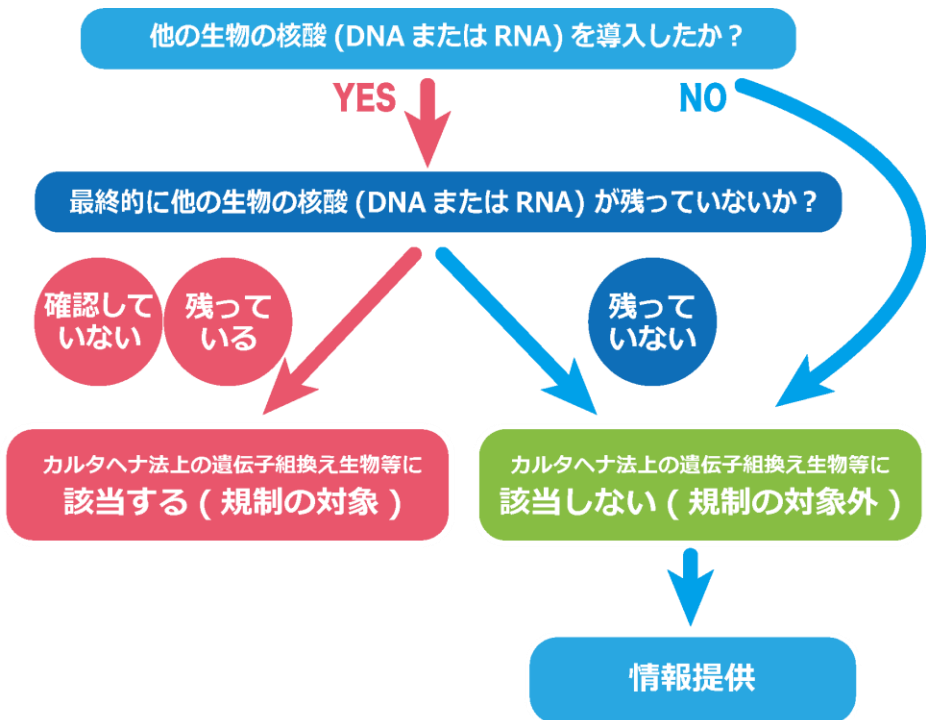


ゲノム編集に対する規制動向



日本

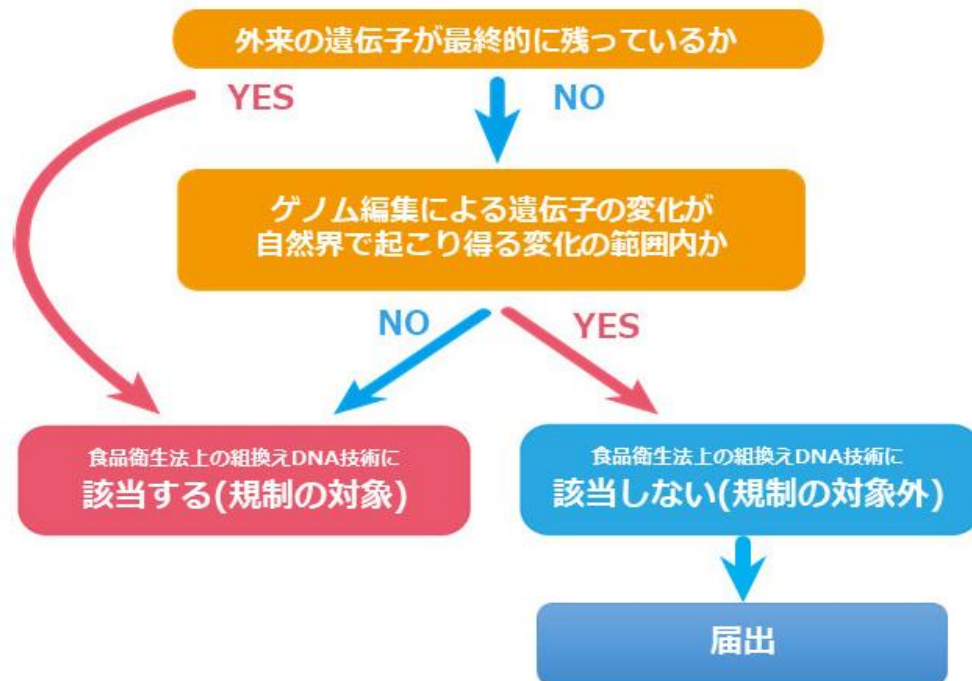
環境省：
生物多様性への影響の面での取扱いルール



- ・得られた生物に細胞外で加工した核酸が含まれないSDN-1は規制対象外
- ・セルフクローニングとナチュラルオカレンスは、カルタヘナ法の規制対象外

(出典) バイオステーション
<https://bio-sta.jp/>

厚生労働省：
食品としての安全面での取扱いルール



- ・自然界で起こり得るような変異 (SDN-1やSDN-2のうち1～数塩基の変異) は「組換えDNA技術」に該当しない。
- ・新たなアレルゲン物質の産生や毒性を持った物質の増加が起きていないか等の情報も届出に含まれる。

弊社・研究開発チームのゲノム編集実績(広島大学の実績含む)

①動物



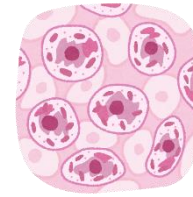
マウス



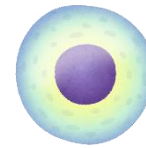
ラット



マーモセット



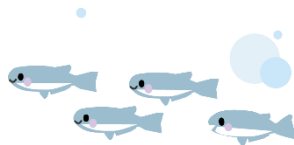
培養細胞



iPS細胞



ゼブラフィッシュ



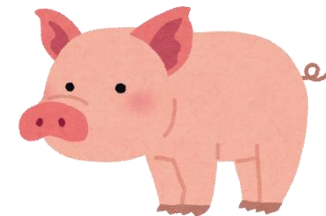
メダカ



カイコ



ニワトリ



ブタ



ウニ



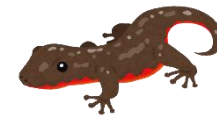
ホヤ



ミジンコ



線虫

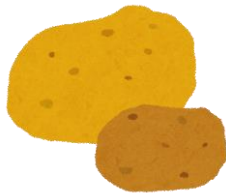


イモリ



カエル

②植物



ジャガイモ



ダイズ

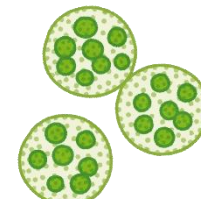
③微生物



酵母菌



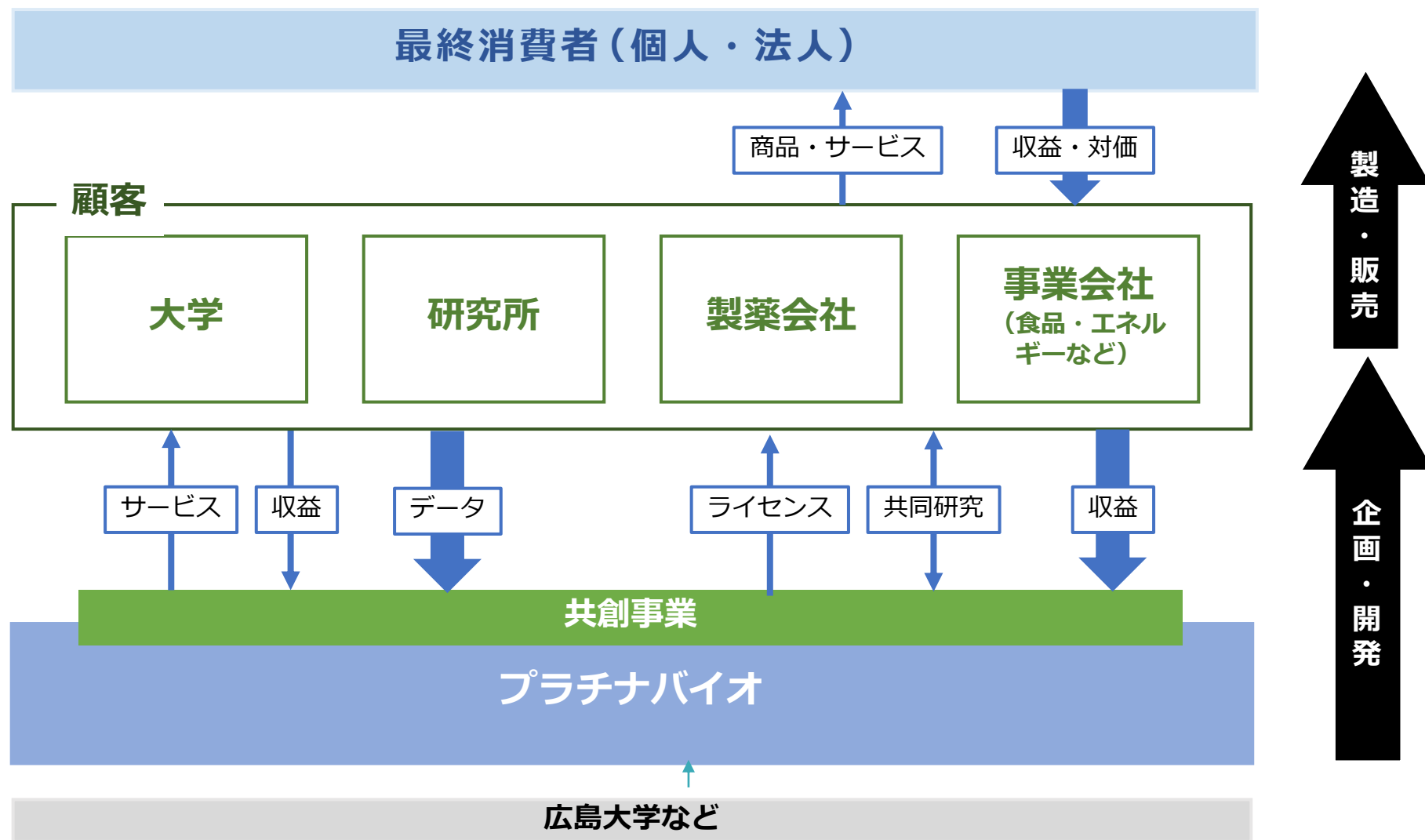
麹菌



微細藻類

事業系統図

- ゲノム編集技術のプラットフォームとして、様々な事業パートナーと「共創事業」を展開しています。

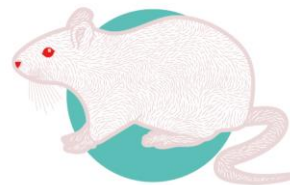


創薬支援事業

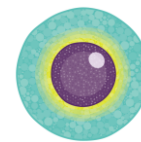
2021年4月1日から
サービス提供開始



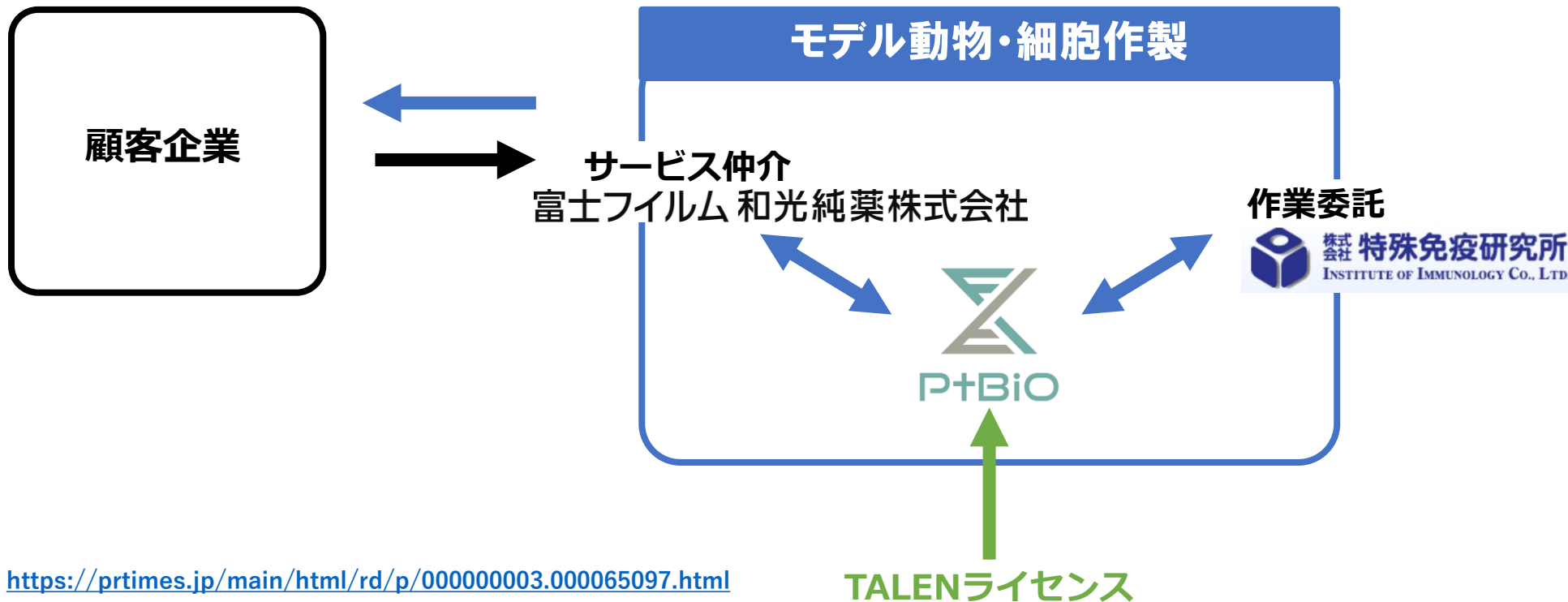
マウス



ラット



iPS細胞



<https://prtmes.jp/main/html/rd/p/000000003.000065097.html>

世界のマウスモデルの市場規模は、
2025年には19億米ドルの規模に成長予測

MarketsandMarkets | Mice Model Market, Forecast to 2025」より

低アレルギー卵

広島県東広島市の一角にある広島大学の鶏舎。飼育される鶏のうち約100羽はただの鶏ではない。ゲノム編集によってアレルギーの原因物質「アレルゲン」遺伝子を切り取った鶏だ。おんどのりの尻から精子を採取してめんどりに人工授精。すると低アレルギーの卵を月に60個ほど産む。

同大の堀内浩幸教授は、食物アレルギー問題は、食物アレルギー問題の解決を目指す、アレルギーの少ない卵の開発に挑んでいる。ゆで卵にしても見た目は普段口にする卵と変わらない。研究室の学生が試食した時の感想は「普通の卵よりもおいしい」「食感が若干違う」とそれぞれで



第4部 ゲノムと食卓

日本経済新聞

朝刊・夕刊 ストーリー Myニコ

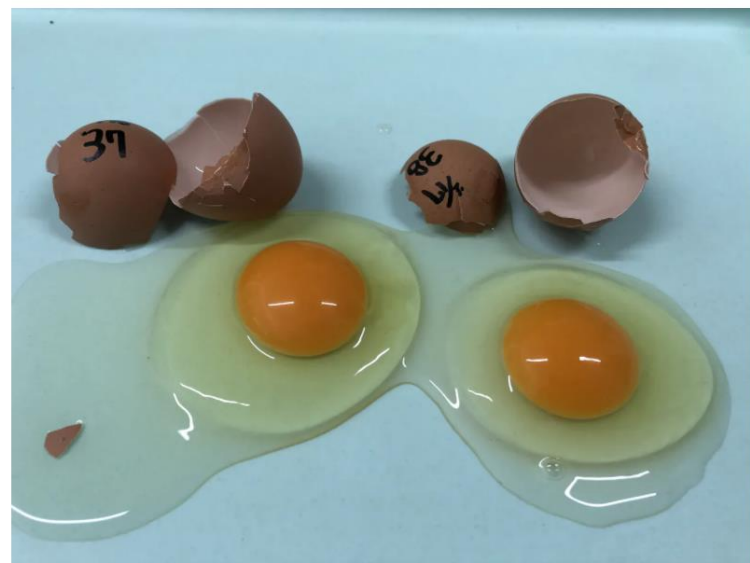
トップ 速報 マネー 経済・金融 政治 ビジネス マーケット テクノロジー 国際 オピニオン スポ

低アレルギー卵に白いコオロギ ゲノム編集地方に宿る

日経産業新聞 コラム スタートアップ サービス・食品
2021/3/1 2:00 [有料会員限定]

保存 共有 印刷 他

NIKKEI
BUSINESS DAILY
日経産業新聞

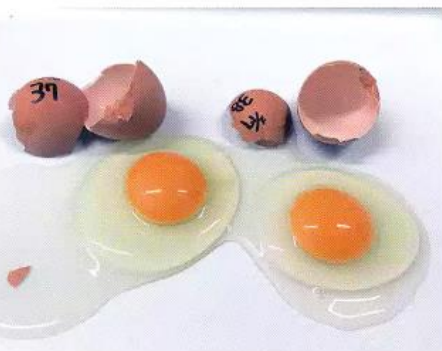


低アレルギーのゲノム編集卵は普通の卵と見た目は変わらない

広島県東広島市の一角にある広島大学の鶏舎。飼育される鶏のうち約100羽はただの鶏ではない。ゲノム編集によってアレルギーの原因物質「アレルゲン」遺伝子を切り取った鶏だ。おんどのりの尻から精子を採取してめんどりに人工授精。すると低アレルギーの卵を月に60個ほど産む。

低アレルギーの卵に挑む

広島大、ニワトリの遺伝子改変



低アレルギーのゲノム編集卵は普通の卵と見た目は変わらない

在、詳しい成分を分析している最中だ。場合によっては人を死に至らしめる恐れもある食物アレルギー。厚生労働省によると、日本の総人口の1〜2%が何らからの食物アレルギーを持つとされている。堀内教授は息子がかかり、アレルギーを食べられないのが、編集技術の開発や研究戦略などコンサルティ

ノーベル賞技術の代替に



広島大学の鶏舎では、ゲノム編集を施したニワトリが約100羽飼育されている

同社が持つ唯一無二の特許が「プラチナタレン」だ。ゲノム編集を巡っては、ノーベル化学賞を受賞した「クリスパー・キヤス9」が一躍有名になったが、それとは一線を画す。ゲノム編集したいDNAを全体の配列から特定する際、クリスパーでは核酸を使うが、プラチナタレンではたんばく質がその役割を果たす。山本氏はこのたんばく質をつくるアミノ酸の一部をDNAとより結合しやすい分子構造に設計し直し、実用化にこぎつけた。クリスパーは遺伝子操作が容易なことから研究の可能性を秘める。

だが、プラチナタレンはものによってはクリスパーの限界を打ち破る可能性がある。堀内教授によると、クリスパーでは鶏のアレルゲン遺伝子をうまく切り取れなかったが、プラチナタレンでは成功したという。微細な藻類の遺伝子改変にも使われた実績があり、プラチナタレンを利用した食品が市場に流通した場、メーカー側はプラチナバイオに技術のライセンス料を支払う。食品業界でまさに「金の卵」とな

2021/2/26 日経産業新聞

2021/3/1 日本経済新聞電子版

ゲノム編集データ管理基盤「Genome Editing Cloud」



<https://prtmes.jp/main/html/rd/p/000000002.000065097.html>



(1) Designer (CRISPR-Cas9ガイド設計)

入力した塩基配列データに対しCRISPR-Cas9システムのガイドRNAを設計・評価する機能

(2) Analyzer (編集配列解析)

ゲノム編集した配列データを解析する機能

NEDO
展示No.22

- ・ NEDO事業で、凸版印刷とともに、ゲノム編集研究を支援するデータ管理基盤「Genome Editing Cloud™」を開発中
- ・ プログラミング言語を意識せずに大量のデータを簡易に処理できるGUIを提供

COI-NEXT「バイオDX産学共創拠点」

SUSTAINABLE DEVELOPMENT GOALS



バイオ産業は2030年までに約180兆円の巨大市場へ成長

■ 拠点ビジョン

Bio×Digital Transformation (バイオDX) で持続可能な発展を導く科学を確立し、広島から世界最先端のバイオエコノミー社会を実現する

■ ターゲット

1. 食料問題を解決する
フード&アグリテック

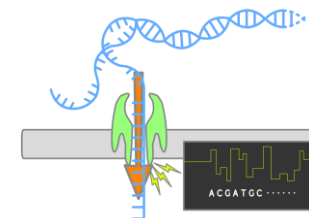
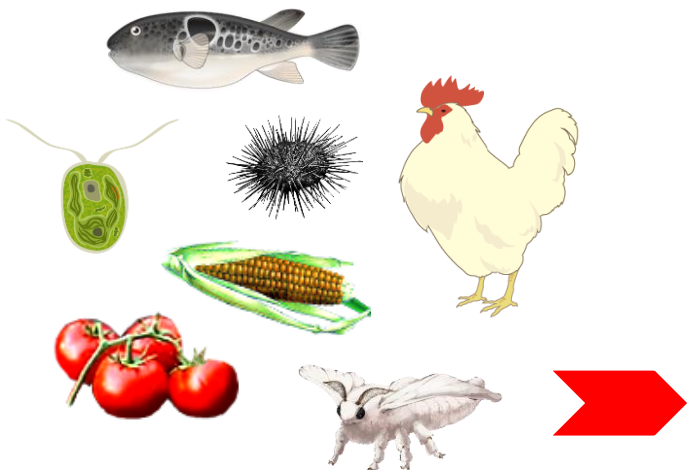
2. 健康福祉を増進する
スマート生物工場

3. カーボンゼロを実現する
バイオものづくり

バイオDX産学共創コンソーシアム等

バイオDXによるデータ駆動型ゲノム育種(デジタル育種)

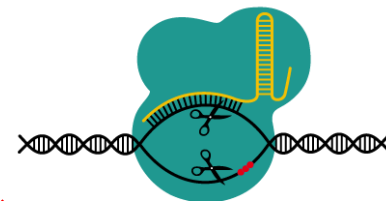
様々な生物資源



・ゲノム配列解読
(長読みシーケンサー)



・遺伝子発現解析
・機能アノテーション
・パスウェイ再構築
(Fanflow)



・ゲノム編集技術
・安全性評価法
(Q-SpeC)

Bio×Digital Transformation (バイオDX)

©2016 DBCLS TogoTV / CC-BY-4.0

現状：従来育種

- 自然突然変異により性質が変化したものを選抜
- 異なる品種同士を掛け合わせる交配育種
- 放射線や化学物質等による突然変異処理

技術的なギャップ

- △ゲノム解読が困難な生物あり
- △遺伝子機能の解明が不十分
- △ゲノム編集の安全性評価

理想：デジタル育種

- 特定機能を発現する遺伝子を高効率に選定し、超高速育種を実現
- これまでにない形質(表現型)を持った新品種の作出

ゲノム編集×デジタル技術で新たな価値を創造

2 飢餓を
ゼロに



飢餓に終止符を打ち、食料の安定確保と栄養状態の改善を達成するとともに、持続可能な農業を推進する



フード&
アグリテック

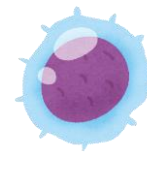


スマート
生物工場

3 すべての人に
健康と福祉を



あらゆる年齢のすべての人々の健康的な生活を確保し、福祉を推進する



細胞医療



ヘルスケア

7 エネルギーをみんなに
そしてクリーンに



すべての人々に手ごろで信頼でき、持続可能かつ近代的なエネルギーへのアクセスを確保する



バイオ生産
・脱炭素

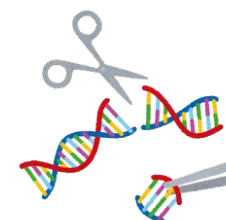


バイオマス
燃料

9 産業と技術革新の
基盤をつくろう



強靱なインフラを整備し、包摂的で持続可能な産業化を推進するとともに、技術革新の拡大を図る



ゲノム編集技術



デジタル技術

VISION

ゲノム編集とデジタル技術でミライを拓く

MISSION

**産業利用に最適なゲノム編集技術とデジタル技術を融合し、
バイオ産業の成長に貢献する**

