



2025 年 7 月 2 日

各 位

会 社 名 株式会社トランスジェニックグループ  
代表者名 代表取締役社長 福 永 健 司  
(コード番号 2342 東証グロース)  
問合せ先 取 締 役 船 橋 泰  
( 電 話 番 号 03-6551-2601)

## 「エクソンヒト化マウス」に関する特許が日本にて成立

当社保有の「エクソンヒト化マウス」に関する特許（以下、本特許）が日本において成立し、設定登録（特許第 7699749 号）されましたので、お知らせいたします。

### 1. 概要

当社グループは、CRO 事業の成長戦略の一環として、汎用性が高く非臨床試験への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います。このたび成立した特許は、マウス遺伝子のイントロン※<sup>1</sup>はマウスの塩基配列を保持したままでエクソン※<sup>1</sup>だけがヒトの塩基配列を保持するエクソンヒト化マウスを作製する技術です。

従前の相同組換え法を利用したヒト DNA 導入マウスでは、遺伝子発現制御機能が損なわれていることからヒト遺伝子の発現量が高値であったり低値であったりと、必ずしも正常ではなく、また、発現の組織特異性も異なるなど多くの欠点がありました。そのため、従来法で作製されたヒト DNA 導入マウスでは、疾患モデルとして病態解析には使用できるものの、治療法の開発とその有効性の検証に使用するにあたっては、正常な発現量と発現パターンが求められることから、病態モデルとしては限界がありました。

今回特許が成立したエクソンヒト化マウス技術では、エクソンはヒト化している一方で、イントロンはマウスの塩基配列を保持し遺伝子発現制御領域が保存されていることから、ヒトの遺伝子発現パターンが量的にも、組織特異的にも正常に発現されることが可能となります。このことから、この技術を用いて作製されたヒト疾患モデルマウスは、核酸医薬等の薬剤及び遺伝子治療の効果をみる上で極めて有用と考えられます。

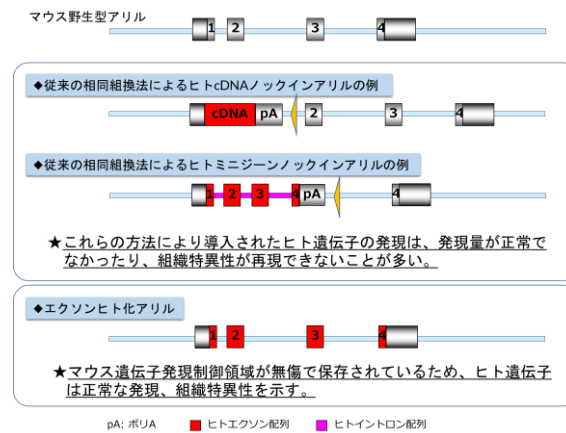
当社は、既に本エクソンヒト化マウス技術を用いてアミロイドーシス治療法開発に向けた「トランスサイレチン (TTR) ※<sup>2</sup>エクソンヒト化マウス」(Li e al. TTR exon-humanized mouse optimal for verifying new therapies for FAP. Biochem. Biophys. Res. Commun. 599:69-74,2022)及び COVID - 19 研究用「ACE2※<sup>3</sup>エクソンヒト化マウス」の作製に成功し、臨床を反映したモデルマウスの作製受託、販売及び共同研究を展開しております。また、同モデルを用いた非臨床試験の相談も寄せられており高付加価値サービスの提供に向けて、その可能性を広げております。本特許はエクソンヒト化マウスの上記のような事業優位性を図る知的財産基盤強化になるものと考えております。

### 2. 今後の見通し

本件による 2026 年 3 月期の連結業績への影響はございませんが、今後開示すべき事項が発生した場合は速やかにお知らせいたします。

当社グループは、今後も引き続き付加価値の高い創薬支援サービスの充実を図ってまいります。

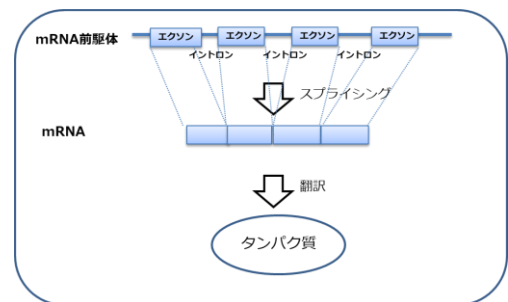
## <エクソンヒト化マウス>



## ◆ご参考

### ※1 イントロン エクソン

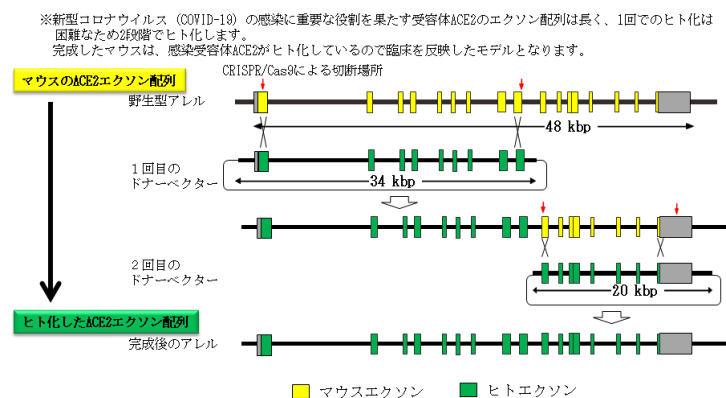
真核生物の遺伝子にはエクソンとイントロンが介在しており、タンパク質の遺伝情報がコードされている領域をエクソン（翻訳配列）といい、遺伝情報がコードされていない領域をイントロン（非翻訳、介在配列）といいます。



### ※2 トランスサイレチン (TTR)

TTR 遺伝子は、正常では 30 番目のアミノ酸はバリン (TTRV30 と表記) ですが、その変異、例えばこのバリンがメチオニンに置換 (TTRM30) することにより産生される変異 TTR タンパクがアミロイドとして沈着し、優性遺伝病である家族性アミロイドポリニューロパチー※2を発症します。一方、正常な TTR タンパクの沈着によっても老人性全身性アミロイドーシス※3が発症しますが、近年 85 歳以上では 25% の割合で心臓に TTR タンパクが沈着していることが報告されています。

### ※2 ACE2 エクソンヒト化マウス



以上