



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※¹はマウスの塩基配列を保持したままでエクソン※¹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。

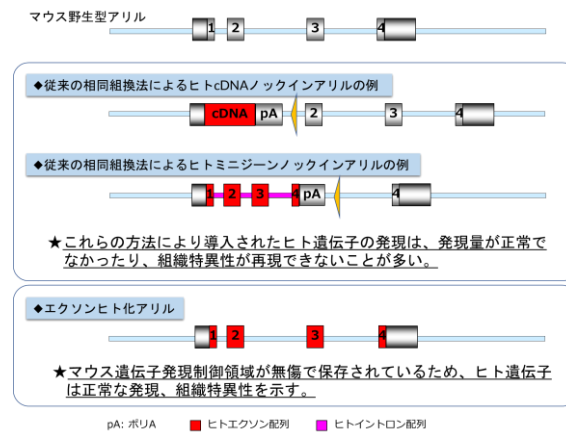
当社は、既に本エクソンヒト化マウス技術を用いてアミロイドーシス治療法開発に向けた「トランスサイレチン (TTR) ※²エクソンヒト化マウス」(Li e al. TTR exon-humanized mouse optimal for verifying new therapies for FAP. Biochem. Biophys. Res. Commun. 599:69-74,2022)及び COVID - 19 研究用「ACE2※³エクソンヒト化マウス」の作製に成功し、臨床を反映したモデルマウスの作製受託、販売及び共同研究を展開しております。また、同モデルを用いた非臨床試験の相談も寄せられ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。

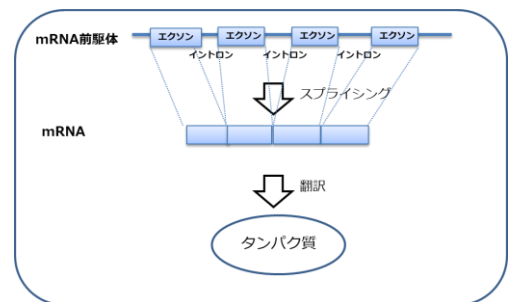
<エクソンヒト化マウス>



◆ご参考

※1 イン트ロン エクソン

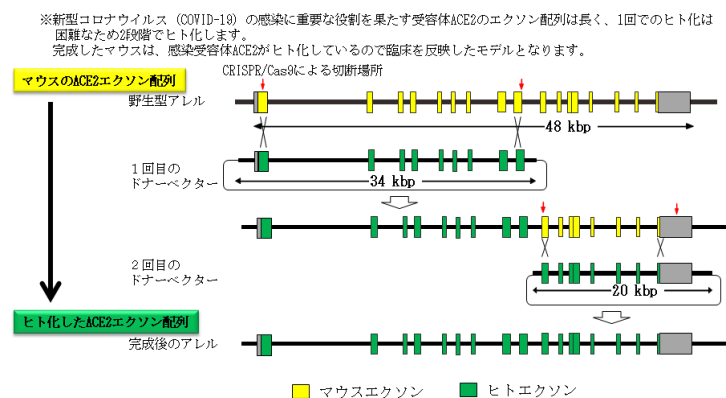
真核生物の遺伝子にはエクソンとイントロンが介在しており、タンパク質の遺伝情報がコードされている領域をエクソン（翻訳配列）といい、遺伝情報がコードされていない領域をイントロン（非翻訳、介在配列）といいます。



※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



July 2, 2025

TRANSGENIC GROUP INC.
(Code No.2342 TSE Growth Market)

Patent on “Exon-Humanized Mouse Technology” has been Granted in Japan

TRANSGENIC GROUP INC. (“TG GROUP”) hereby announces that, a patent on "exon-humanized mouse technology ("This Patent")" has been granted and registered in Japan (Patent No. 7699749).

1, Overview

TG GROUP is actively working to introduce and develop pathological mouse models that are highly versatile and can be used for non-clinical trials as part of its growth strategy for the CRO business, thereby expanding its product lineup. This Patent relates to a technology for producing exon-humanized mice in which only exon^{*1} of mouse genes is replaced by human base sequence, while intron^{*1} retains mouse base sequence.

Humanized mice created by using conventional homologous recombination have many problems: the expression level of human genes is not necessarily normal due to impaired gene expression control function, and tissue specificity of expression is different.

Therefore, humanized mice created by using conventional method can be used as disease model for pathological analysis; however, they are not suitable as pathological model, because normal expression level and pattern are required for use in the development of treatment approach and verification of its effectiveness.

The mouse model produced based on This Patent has humanized exons, while retaining mouse base sequence in introns and preserving gene expression control region. Therefore, this technology allows for the expression of normal human gene expression patterns in both quantitative and tissue-specific ways. For this reason, mouse model of human disease created based on This Patent is expected to be extremely useful for examining the effect of gene therapy and medical agents including nucleic acid medicine.

TG GROUP has already succeeded in producing “transthyretin (TTR)^{*2} exon-humanized mouse” for the development of amyloidosis treatment (Li et al. TTR exon-humanized mouse optimal for verifying new therapies for FAP. Biochem. Biophys. Res. Commun. 599:69-74, 2022) and “ACE2 exon-humanized mouse^{*3}” for COVID-19 research by using this technology, and undertakes contract production, sales and collaborative research of mouse models which can be used for clinical study.

TG GROUP has also received inquiries about non-clinical trials using these mouse models, and is expanding its possibilities to provide high-value-added services. We believe that This Patent will strengthen TG GROUP’s foundation of intellectual property to ensure the business advantage of exon-humanized mice.

2, Future prospects

This matter is not expected to have a material impact on the business result or financial performance for the fiscal year 2025, however, we shall notify as soon as we identified matters requiring disclosure.

TG GROUP will continue to enhance drug discovery support services with high added value.

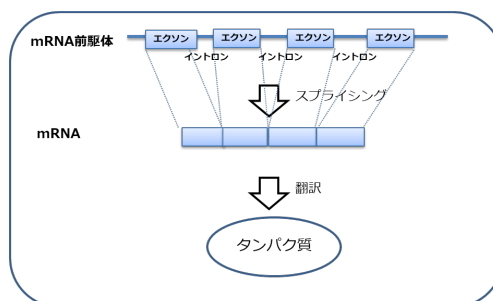
Exon-humanized mouse



◆Reference

*1 Intron / Exon

There are exons and introns in the eukaryotic gene. The region that encodes genetic information for protein is called exon (translated sequence), whereas the region that does not encode genetic information is called intron (non-translated, intervening sequence).



*2 Transthyretin (TTR)

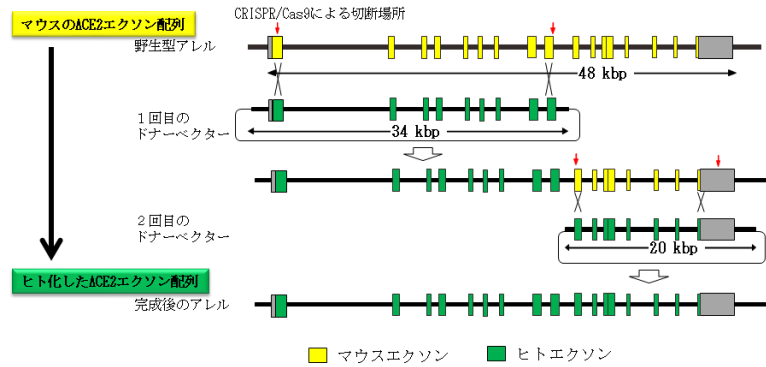
30th amino acid of normal TTR is valine (TTRV30). However, when the mutant TTR protein is produced by substituting methionine for valine (TTRM30), for example, and deposited as amyloid, patient develops familial amyloidotic polyneuropathy (FAP), an autosomal-dominant inherited disorder. On the other hand, senile systemic amyloidosis can also be caused by the deposition of normal TTR protein. Recently, it is reported that 25% of aged people over 85 have TTR protein deposition in their heart.

*3 ACE2 exon-humanized mouse

ACE2 is the virus receptor essential for COVID-19 infection. Since exon sequence of ACE2 is too long to be humanized in one go, humanization is performed in 2 stages.

ACE2 exon-humanized mouse can be used for clinical study because of humanized infection receptor ACE2.

※新型コロナウイルス（COVID-19）の感染に重要な役割を果たす受容体ACE2のエクソン配列は長く、1回でのヒト化は困難なため2段階でヒト化します。
完成したマウスは、感染受容体ACE2がヒト化しているので臨床を反映したモデルとなります。



Contact for inquiries and additional information :

TRANS GENIC INC.

Yutaka Funabashi, Director

Telephone +81-(0)3-6551-2601