



2026年1月8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  
<https://transgenic-group.co.jp/contact/>

真下教授らによる CRISPR-Cas3 システムを用いた遺伝子改変に関する論文が、  
国際科学雑誌「Nature Biotechnology」に掲載されました

CRISPR-Cas3 システムを用いた TTR 遺伝子改変に関する論文が、国際科学雑誌「Nature Biotechnology」に掲載されました。

このたび掲載されました論文は、東京大学医科学研究所 先進動物ゲノム研究分野 真下教授らによる研究成果であり、高効率な遺伝子破壊能を有する CRISPR-Cas3 システムを用いて、TTR 遺伝子の変異により発症する遺伝性疾患である家族性アミロイドポリニューロパチー (Familial amyloidotic polyneuropathy:FAP) を対象とした遺伝子編集研究の成果を報告したものです。当社は、2022年1月に真下教授およびC4U 株式会社と「TTR エクソンヒト化マウスを用いた遺伝子改変実験に関する共同研究契約」を締結しており、同年 2 月には当該共同研究におけるパイロット実験の結果を公表しております。

掲 載 雜 誌：Nature Biotechnology (2026年1月5日掲載)

論文タイトル：『CRISPR/Cas3-based editing for targeted deletions in a mouse model of transthyretin amyloidosis』

詳細につきましては、東京大学の下記公式リリースをご参照ください。

([https://www.ims.u-tokyo.ac.jp/imsut/jp/about/press/page\\_00367.html](https://www.ims.u-tokyo.ac.jp/imsut/jp/about/press/page_00367.html))

また、Nature Biotechnology に掲載された論文（原文）については、下記をご参照ください。

(<https://www.nature.com/articles/s41587-025-02949-6>)

#### ◆ご参考

##### ※1 CRISPR-Cas3

CRISPR-Cas3 は、東京大学医科学研究所先進動物ゲノム研究分野の真下知士教授、大阪大学微生物病研究所の竹田潤二招聘教授らの研究成果を基に開発された新ゲノム編集技術です。

CRISPR-Cas9 同様に二本鎖 DNA を切断しますが、crRNA（ガイド）認識配列が長い（27 塩基のガイド配列）ことから、特異性が高く、オフターゲット変異（狙った部分以外の変異）がない、より安全なゲノム編集ツールです。また、大きな欠失を起こすことも可能なため、遺伝子の改変に加えてその機能を失わせることも得意としています。

##### ※2 家族性アミロイドポリニューロパチー

家族性アミロイドポリニューロパチーは、主に肝臓で産生されるトランスサイレチン (TTR) というたんぱく質の遺伝子変異によって引き起こされる遺伝性疾患です。変異したトランスサイレチ

ンはアミロイドとして体内に沈着し、末端神経をはじめとするさまざまな組織に障害をもたらします。その結果、手足のしびれや痛み、感覚障害などの神経症状が初期から現れ、病気が進行すると自律神経系や心臓、腎臓、消化管などにも障害が及ぶことがあります。近年では、「遺伝性 ATTR アミロイドーシス (Hereditary ATTR Amyloidosis, ATTRv アミロイドーシス)」という名称でも呼ばれています。

○関連リリース

- ・『東京大学医科学研究所先進動物ゲノム研究分野及びC4U 株式会社との TTR エクソンヒト化マウスを用いた遺伝子改変実験に関する共同研究契約締結のお知らせ』(2022年1月27日付)
- ・『TTR エクソンヒト化マウスを用いた遺伝子治療実験の検証』(2022年2月2日付)

以上



January 8, 2026

TRANS GENIC GROUP INC.  
(Code No.2342 TSE Growth Market)

Research Results regarding Gene Modification using CRISPR-Cas3 System  
has been Published in "Nature Biotechnology"

TRANSGENIC GROUP INC. ("TG GROUP") hereby announces that, an article regarding TTR gene modification using CRISPR-Cas3\*<sup>1</sup> system has been published in the international scientific journal "Nature Biotechnology".

This is the outcome of the research conducted by Professor Tomoji Mashimo, Division of Animal Genetic, Institute of Medical Science, The University of Tokyo. This paper describes the results of gene editing research targeting familial amyloidotic polyneuropathy (FAP)\*<sup>2</sup>, a genetic disease caused by mutation in TTR gene, using CRISPR-Cas3 system with highly efficient gene disruption ability.

TG GROUP entered into "collaborative research agreement on gene modification experiment using mouse model containing humanized TTR exon" with Professor Mashimo and C4U CORPORATION in January 2022, and announced the results of a pilot experiment of this research project in February 2022.

Title: CRISPR/Cas3-based editing for targeted deletions in a mouse model of transthyretin amyloidosis

Journal: Nature Biotechnology (published: January 5, 2026)

For more details, please refer to the official release from the University of Tokyo below.  
([https://www.ims.u-tokyo.ac.jp/imsut/jp/about/press/page\\_00367.html](https://www.ims.u-tokyo.ac.jp/imsut/jp/about/press/page_00367.html))

For the original paper published in Nature Biotechnology, please see below.  
(<https://www.nature.com/articles/s41587-025-02949-6>)

◆Reference

\*1 CRISPR-Cas3

CRISPR-Cas3 is a novel genome editing technology developed based on the research outcome of Dr. Tomoji Mashimo (Professor of Division of Animal Genetics, Institute of Medical Science, The University of Tokyo) and Dr. Junji Takeda (Guest Professor of Research Institute for Microbial Diseases, Osaka University).

CRISPR-Cas3 cleaves double strand DNA, as with CRISPR-Cas9. However, CRISPR-Cas3 has higher specificity because target recognition sequence in crRNA (guide

sequence) is longer (27 nucleotide). In addition, it became apparent that effect on off-target mutation (nonspecific and unintended genetic modification) is extremely low, so it is more secure for genome editing. Furthermore, since large deletion is possible, it is suited for destroying the function as well as modifying the gene.

\*2 Familial amyloidotic polyneuropathy ("FAP")

FAP is an inherited disease caused by gene mutation in transthyretin (TTR), which is generated mainly in the liver. Mutated TTR deposits in the body as amyloid, which causes damage to various tissues including peripheral nerves. As a result, neurological symptoms such as numbness, pain and sensory impairment in hands and feet appear in early stage, and as the disease progresses, it can affect autonomic nervous system, heart, kidney, and digestive tract. In recent years, it is also called as "hereditary ATTR Amyloidosis (ATTRv Amyloidosis)."

◆Related news releases

"Transgenic to enter into collaborative research agreement on gene modification experiment using mouse model containing humanized TTR exon" released on January 27, 2022

"Evaluation result of gene therapy experiment using mouse model with humanized TTR exon" released on February 2, 2022

Contact for inquiries and additional information :

TRANSGENIC GROUP INC.

Yutaka Funabashi, Director  
<https://transgenic-group.co.jp/contact/>