

第17回 神戸先端研セミナー

神戸先端医療研究センターでは、新しい医療に繋がりうる基礎研究、正常と病気を理解する研究、臨床試験まで行った研究など、幅広く医学生物学研究の講演等を企画してまいります。研究者・技術者の参加をお待ちしております。

先端医療研究センター長 北村 俊雄

参加無料

オンライン	200名
会場	40名

© 神戸都市振興サービス (株)

2026年 6 月 11 日 (木) 16:00 - 17:00

会場

クリエイティブラボ神戸2階 イノベーションパーク
〒650-0047 神戸市中央区港島南町6丁目3番地の7

講師

真下 知士 先生

東京大学医科学研究所 実験動物研究施設 先進動物ゲノム研究分野
同 システム疾患モデル研究センター ゲノム編集研究分野 教授

演題

CRISPR-Cas3 mRNA-LNPモダリティによるin vivo遺伝子治療
In vivo gene therapy using the CRISPR-Cas3 mRNA-LNP technology



講演内容

近年、CRISPR-Casシステムを用いたゲノム編集は、疾患原因遺伝子を根本から修復・除去できる革新的技術として注目されており、トランスレーショナルリサーチから臨床応用にも拡大しています。我々が開発を進めるCRISPR-Cas3システムは、従来のCas9システムとは異なり、大規模ゲノム領域を一方向性にDNA分解する能力を有しており、標的とする遺伝子領域を効率的に除去することができます。

我々は、CRISPR-Cas3 mRNA-LNPをアミロイド病モデルマウスに単かい投与することで、肝臓の標的TTR遺伝子を効率的にノックアウトすることで、病態改善など高い有効性を示すことに成功しました (Ishida et al. Nat Biotechnol 2026)。また、Cas3のオフターゲット変異頻度は極めて低く、Cas9と比較しても安全性の面でも優れた治療法であることが示されました。それ以外にも、Cas3-mRNAによるユニバーサルiPS細胞の作製、造血幹細胞やCAR-T細胞療法などのex vivo細胞治療への応用も進めています。今後は、より精密な標的化や臨床応用に向けた技術開発を加速させ、国産ゲノム編集技術として難治性疾患などの新たな治療法創出を目指します。

お申込み

お申し込みは下記URLかQRコードからお願いします

https://www.fbri-kobe.org/event/detail.php?event_id=922

受付締切：2026年6月4日 (木)



お問い合わせ

公益財団法人神戸医療産業都市推進機構 セミナー事務局

E-Mail: ibri-seminar@fbri.org