

Tocris는 gene editing 기술에 관련된 CRISPR-Cas9 system의 효율을 증진 시키거나 감소시키는 reagent들을 제공합니다.

CRISPR-Cas9 소개

CRISPR (clustered regularly interspaced short palindromic reports)는 박테리오 파지나 바이러스의 침입에 대항하여 즉각적으로 일어나는 면역 체계를 조절하는 prokaryotic DNA의 system으로써 최근 Gene Editing 분야에 차용하여 활발한 연구 중이다.

CRISPR-Cas9은 특정 염기 서열에 특이적으로 결합하는 gRNA와 특정 염기서열을 자르는 가위 역할의 Cas9 nuclease로 구성되어 있다. 그리하여 세포나 동물 등에 plasmid DNA를 도입하여 특정 유전자 기능을 억제할 수 있는 Knock Out도 가능하게 한다. 이러한 유전자 가위 기술은 1세대 Zinc finger nuclease (ZEN)을 시작으로, 2세대 Transcription activator-like effector nuclease (TALEN)을 거쳐 3세대 CRISPR-Cas9 로 발전되어 왔다.

Gene Editing 기술이 발전하면서 현재는 얼마나 정확하게 표적부위만을 자르고 교정할 수 있는지 그 정교함을 향상시키고 검증할수 있는 연구들이 활발하다.

Gene Editing을 좀 더 들여다 보면 첫번째 step으로 DSB (double -strand breaks) 단계를 거치고 이후 NHEJ (non-homologous end joing)이나 HPR (homology-directed repair)을 거치게 된다. 이때 HDR이 NHEJ 보다 더 정확도는 높지만 효율적인 면이 떨어지므로 Tocris는 더 정교한 Gene Editing을 위해 필수적인, HDR의 효율을 향상시킬 수 있는 reagents를 공급하고 있으며 이에 대한 개발을 활발히 진행중에 있습니다.

CRISPR Reagents Available from Tocris

Enhance HDR Efficiency:

Brefeldin A (#1231)

Enhances CRISPR-mediated HDR efficiency

(Z)-4-Hydroxytamoxifen (#3412)

Activates intein-linked inactive Cas9, reducing off-target CRISPR-mediated gene editing

KU 0060648 (#4840)

Enhances HDR efficiency and attenuates NHEJ frequency

L-755,507 (#2197)

Enhances CRISPR-mediated HDR efficiency

NU 7441 (#3712)

Enhances HDR efficiency and attenuates NHEJ frequency

RS 1 (#5810)

Enhances HDR efficiency and increases CRISPR-mediated knock-in efficiencies

SCR7 pyrazine (#5342)

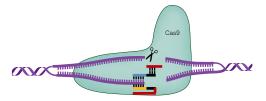
Enhances HDR efficiency by up to 19-fold

Reduces HDR efficiency:

Azidothymidine (#4150)

Decreases CRISPR-mediated HDR efficiency

Key Advantages of CRISPR:



- Simpler, cheaper and more accurate than other gene editing processes
- A versatile system that can be used to edit, activate or reversibly switch off genes

CRISPR explained:

Gene Editing의 활용

- 1. Gene Knock Out
- 2. Gene Insertion
- 3. Gene Correction and Point Mutagenesis
- 4. Chromosome rearrangement and Structural variation

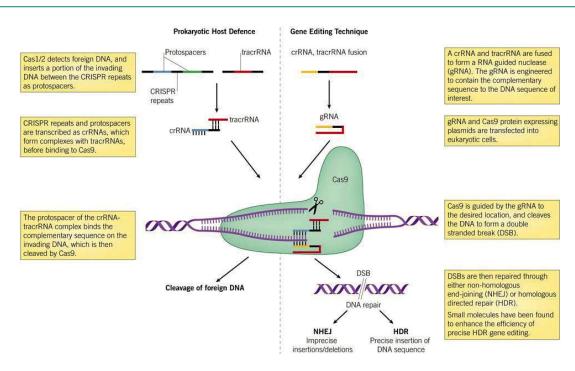
Gene Editing 기술의 응용

1. 신약개발

- 질병 모델 구축
- : Target 지향적 Knock Out 동물 모델 개발로 신약개발 과정에서 임상 진입 전 동물 모델에서의 효능 및 안전성 연구에 활용할 수 있어 임상시험의 성공 확률을 높일 수 있게 한다.
- 신약 개발을 위한 screening 목적의 reporter cell line 개발
- 후보물질의 target gene으로의 효능 검증
- 약물 기작 연구

2. 치료제 개발

- 신약 개발 외에 기존의 기술로 치료할 수 없었던 질병에 대한
 새로운 치료 기술로 활용
- 유전자 제거 기술로 에이즈 및 희귀 유전병 치료
- 기존 아데노바이러스를 활용한 (AAV) 유전자 치료의 단점 보 완할 수 있는 유전자 전달 치료법



Schematic showing the CRISPR-Cas system as a prokaryotic host defense mechanism and as a gene editing technique. The CRISPR system mediates an acquired immune response against invading plasmids and viruses in prokaryotes, and has been adapted for the insertion and deletion of genes and DNA sequences in eukaryotic cells.



Tel: 031-776-3300

Fax: 031-776-3303 Mail: woongbee@woongbee.com